
Nouveau règlement européen sur l'évaluation des technologies de santé

Quelle implication des patients
et de leurs représentants ?

Sommaire

Édito	3
Par Laura Naessens, présidente du Comité « Patients » du Leem	
Introduction	4
La réforme HTA, de quoi parle-t-on ?	5
Avant la réforme	
Objectif de la réforme	
Après la réforme	
Les instances de gouvernance et les parties prenantes	
Contribution des patients et de leurs représentants	8
Qui peut contribuer ?	
À quelles étapes ont lieu les contributions ?	
Foire aux questions	14
Ressources et glossaire	19

Édito

PAR LAURA NAESSENS

PRÉSIDENTE DU COMITÉ «PATIENTS» DU LEEM



Lentrée en vigueur, en janvier 2025, de la réforme européenne de l'évaluation des technologies de santé (HTA) marque une avancée historique. Depuis des décennies, l'Europe prépare ce moment : construire une approche commune de l'évaluation clinique des médicaments pour garantir un accès équitable et rapide aux traitements innovants dans tous les pays membres. Une ambition fondée sur un constat partagé : les inégalités persistent, en particulier dans les plus petits États, parfois dépourvus d'agences d'évaluation robustes, et cela retarde ou compromet l'arrivée des innovations thérapeutiques.

Cette réforme vise à y répondre avec un objectif clair : une seule évaluation clinique au niveau européen, moins de redondance, plus de cohérence, plus de lisibilité. C'est un changement structurel profond, et une formidable opportunité de renforcer l'impact collectif des voix citoyennes et des patients. Depuis la création des instances européennes de santé, les patients ont su faire entendre leurs attentes et leurs priorités. Leur participation à la définition des critères d'évaluation, à l'analyse des bénéfices et des impacts concrets des traitements, est aujourd'hui reconnue comme une valeur ajoutée indispensable.

Mais cette réforme, aussi prometteuse soit-elle, ne se fera pas sans effort. Elle s'accompagne de défis bien réels : des délais de consultation très courts, la barrière de la langue, la complexité des procédures européennes, l'exigence de se coordonner à une autre échelle, de comprendre de nouveaux mécanismes. Tous ces obstacles risquent d'éloigner les associations de patients du processus, non par manque de volonté, mais par manque de temps, d'expérience, de ressources ou de compréhension du système.

C'est précisément pour cela que le Comité «Patients» du Leem a souhaité se saisir de ce sujet dès à présent. Le webinaire du 26 mars 2025 a permis de poser les bases : informer, expliquer, éclairer les zones d'ombre, mais aussi identifier les leviers d'action et initier des pistes concrètes pour accompagner les associations dans cette transition.

Ce guide en est le prolongement. Il s'adresse à toutes celles et ceux qui portent la voix des patients en France et souhaitent continuer à le faire au niveau européen. Car ce tournant, nous devons le saisir ensemble. Pour que cette réforme ne soit pas simplement un texte, mais une chance réelle pour chaque patient européen.

**Réforme HTA :
un tournant à
ne pas manquer
pour les patients**

Le Comité «Patients» est une instance de travail du Leem composée de collaborateurs en charge des relations avec les associations de patients au sein de leurs laboratoires. Il compte une vingtaine de membres. Cette instance est dédiée aux sujets d'intérêt commun entre les associations de patients et les entreprises du médicament.

Introduction

La loi de modernisation de notre système de santé (janvier 2016) a marqué un tournant en matière de reconnaissance institutionnelle des patients dans les processus de santé. Elle instaure notamment l'obligation de représentation des usagers dans les organes de gouvernance des agences sanitaires nationales (HAS et ANSM).

Depuis, la volonté de renforcer la place des patients dans le système de santé n'a cessé de se concrétiser. Aujourd'hui, **la réforme de l'évaluation des technologies de santé (Health Technology Assessment - HTA)**, qui entre progressivement en vigueur depuis janvier 2025, marque une nouvelle étape dans cette dynamique. En harmonisant au niveau européen l'évaluation clinique des médicaments, elle ouvre un espace inédit de coopération et de contribution pour les patients et leurs représentants.

Cela fait désormais consensus : les contributions des patients sont fondamentales parce qu'elles permettent d'intégrer une expertise vécue, complémentaire à l'analyse scientifique, et essentielle pour évaluer la valeur ajoutée des innovations thérapeutiques. La réforme HTA s'inscrit dans cette logique puisqu'elle prévoit des contributions au sein d'un cadre européen commun.

Deux grandes questions se posent alors :

- **Comment les associations de patients vont-elles pouvoir s'impliquer concrètement dans cette réforme au niveau européen ?**
- **Comment pourront-elles articuler ces nouvelles contributions avec les actions déjà en place au niveau national ?**

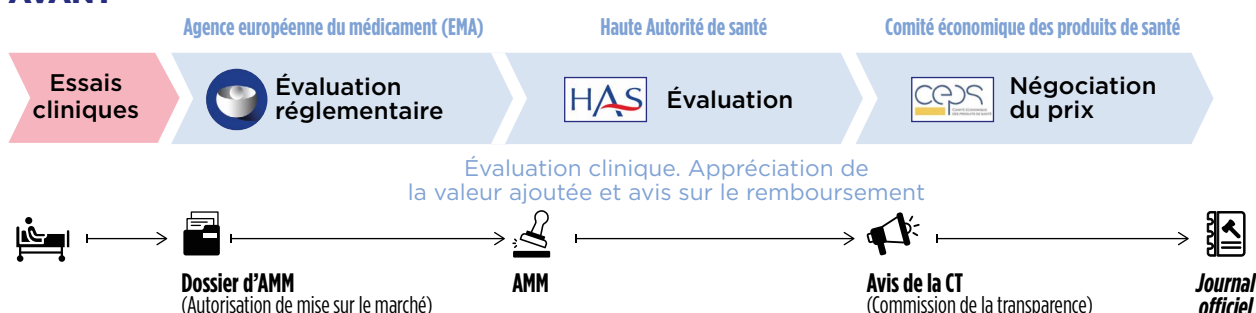
Le 26 mars 2025, le Leem a organisé un webinaire autour de plusieurs parties prenantes pour échanger les points de vue, les expériences et les questionnements.

Compte tenu du caractère très récent de cette réforme, et des questions qui restent encore en suspens, ce document aura vocation à être actualisé. Les retours d'expérience suite à l'évaluation des premiers dossiers viendront utilement l'enrichir.

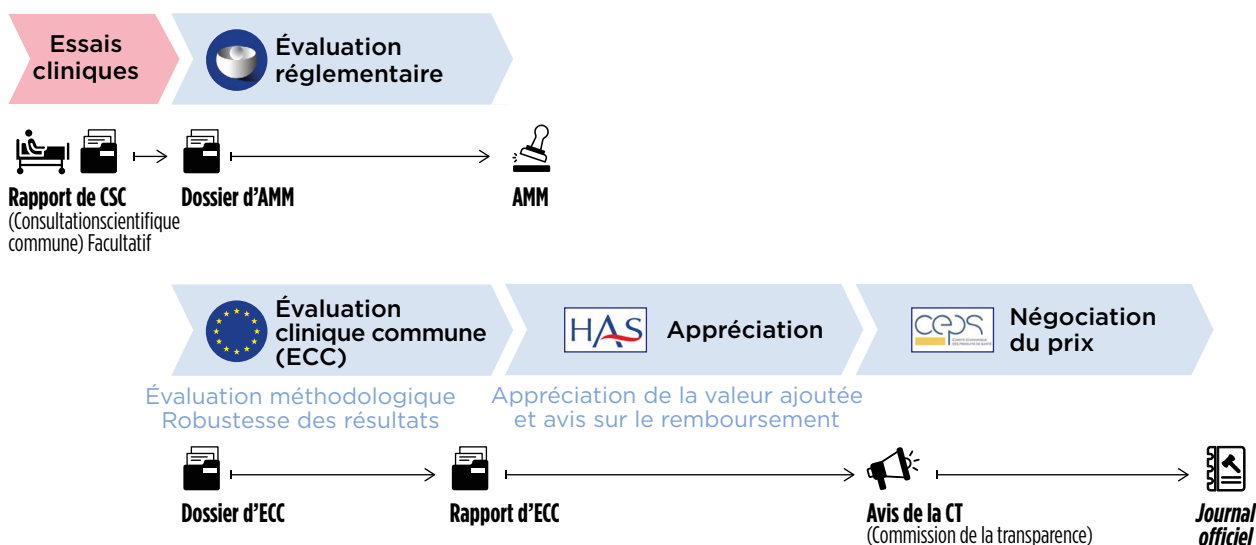
LA RÉFORME HTA, DE QUOI PARLE-T-ON ?

Figure 1 : Impact de la réforme avant/après pour les médicaments autorisés au niveau européen

AVANT



MAINTENANT



Aperçu global de l'impact de la réforme pour les médicaments autorisés au niveau européen

■ Avant la réforme

Après l'étape des essais cliniques, le développeur soumet un dossier de demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM)

auprès de l'agence européenne du médicament (*European Medicines Agency* - EMA). Il s'agit de l'évaluation réglementaire. L'AMM garantit que le médicament est efficace, sûr et de qualité (analyse du bénéfice-risque).

Une fois l'autorisation de mise sur le marché obtenue, chaque agence d'évaluation des technologies de santé (en France la Haute Autorité de Santé - HAS) évalue la thérapie par rapport aux autres thérapies disponibles et donne une appréciation de la valeur ajoutée du traitement en vue du remboursement et de la fixation du prix. Cette évaluation s'appuie notamment sur un examen des données issues de l'essai clinique (les résultats sont-ils robustes ? Y a-t-il des biais ? etc.).



OBJECTIF DE LA RÉFORME

L'objectif de la réforme est de mettre en place une analyse conjointe des données issues des essais cliniques ainsi que des analyses complémentaires en réponse aux questions des agences d'évaluation – approuvée par tous les États membres –, afin d'éviter les duplications, de renforcer la qualité scientifique des analyses par la mise en commun des ressources des pays, et *in fine* de permettre un meilleur accès aux traitements efficaces pour les patients.

* Le règlement précise que, par dérogation, la Commission peut adopter, sur recommandation du groupe de coordination, une décision par voie d'acte d'exécution établissant que certains médicaments fassent l'objet d'une évaluation clinique commune à une date antérieure à celle prévue initialement, pour autant que le médicament soit susceptible de répondre à un besoin médical non satisfait ou à une urgence de santé publique ou qu'il ait une incidence importante sur les systèmes de soins de santé (article 7, paragraphe 3).

** Certains médicaments doivent obligatoirement être autorisés au niveau européen : produits biologiques, médicaments de thérapie innovante, médicaments orphelins, nouvelles substances actives pour le traitement de certaines pathologies (oncologie, maladies neurodégénératives, HIV/SIDA, diabète, maladies auto-immunes et maladies virales). Annexe au règlement (CE) 726/2004.

■ Après la réforme

En parallèle de l'évaluation réglementaire, l'évaluation des méthodes et des résultats de l'essai clinique et des analyses complémentaires, est réalisée au niveau européen. Cette évaluation clinique se conclut par un rapport conjoint. Des contributions d'experts, dont des patients, sont prévues dans l'élaboration de ce rapport (*cf. partie 2 « Contribution des patients et de leurs représentants »*).

Ensuite, dans chaque État membre, les agences d'évaluation (HAS en France) apprécient la valeur ajoutée du médicament dans leur contexte national, à l'aide du rapport européen. La fixation du prix du médicament et la décision de remboursement, qui découlent de cette appréciation, restent, comme aujourd'hui, des prérogatives nationales.



Quels médicaments sont concernés par la réforme HTA* ?

2025

Médicaments anticancéreux et médicament de thérapie innovante (nouvelles

indications, ou extensions d'indication si un rapport européen existe déjà)

2028

Médicaments contre les maladies rares (désignés comme orphelins)

2030

Tous les nouveaux médicaments faisant l'objet d'une demande d'AMM européenne**

Les instances de gouvernance et les parties prenantes

À la différence de l'EMA, aucune agence dédiée n'a été créée pour l'évaluation clinique commune. Ce sont les agences d'évaluation nationales (comme la HAS en France, le GBA en Allemagne, ou l'AIFA en Italie) qui sont réunies au sein d'un groupe de coordination (HTACG). Chaque État membre y nomme un ou plusieurs représentants.

Ce groupe de coordination est subdivisé en **4 sous-groupes** pour la réalisation des travaux :

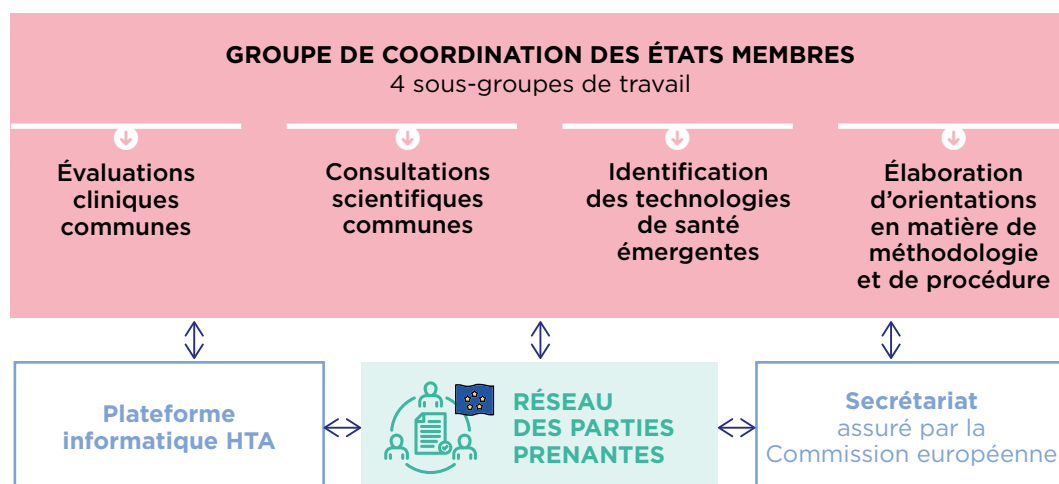
1. Le sous-groupe JSC (*Joint Scientific Consultation*) réalise les **consultations scientifiques communes**.
2. Le sous-groupe JCA (*Joint Clinical Assessment*) réalise les **évaluations cliniques communes**.
3. Le sous-groupe EHT (*Emerging Health Technologies*) identifie les **technologies de santé émergentes**.
4. Le sous-groupe MPG (*Development of Methodological and Procedural Guidance*) élabore les **orientations en matière de méthodologie et de procédure**.

Un réseau des parties prenantes⁽³⁾ à l'échelle européenne a été constitué, composé d'organisations de patients et de sociétés savantes transnationales. Ce réseau constitue l'un des points de contact principaux pour l'identification des experts qui seront sollicités pour contribution. La liste de ces associations, sélectionnées par la Commission européenne, est disponible en ligne. Ces associations « chapeaux » comptent parmi leurs membres des associations de patients nationales dans les différents pays d'Europe.

Le Secrétariat est assuré par la Commission européenne (appui administratif, technique et informatique).

(3) Dans une logique d'inclusivité et de transparence, le règlement européen prévoit que le groupe de coordination interagisse avec un réseau de parties prenantes, incluant notamment des associations de patients, des organisations de consommateurs, des organisations de professionnels de santé, des organisations représentantes des développeurs de technologies de santé, etc. Un appel à candidatures a été fait pour la mise en place de ce réseau. La liste complète est disponible [à cette page](#).

Figure 2 : La structure de gouvernance



CONTRIBUTION DES PATIENTS ET DE LEURS REPRÉSENTANTS

Qui peut contribuer ?

Les contributions d'experts – cliniciens et patients – sont prévues à différentes étapes de l'évaluation clinique commune.

Concernant les patients, le règlement prévoit **deux statuts différents** :

- Un patient, c'est-à-dire **une personne atteinte de la maladie**, est légitime à faire contribution de son expérience pour l'évaluation clinique, à titre individuel.
- Si le patient est représentant d'une association de patients via un mandat, alors il est considéré comme **une partie prenante**.

Une même personne peut être éligible dans les deux cas mais son statut changera.

À noter : En Europe, la notion de « patient expert » n'a pas de statut ou de cadre juridique déterminé. Elle est très inclusive et comprend tout patient qui est atteint d'une maladie et qui en a donc l'expérience directe. Cette notion peut être étendue à un proche, un aidant.

Il est attendu des patients experts qu'ils partagent leur connaissance de la pathologie. Il n'est attendu d'eux aucune compétence particulière en matière d'évaluation des technologies de santé, ni sur les plans techniques ou statistiques.

L'identification des patients experts individuels au niveau européen

Plusieurs sources sont privilégiées pour identifier les patients experts, notamment :

- **Les associations européennes membres du réseau des parties prenantes.** Celles-ci peuvent solliciter des experts au sein des associations nationales qui les composent.
- **Les réseaux européens de référence** (*European reference networks – ERN*⁽⁴⁾) dans les maladies rares.
- Le portail [Orphanet](#).
- **L'Agence européenne du médicament.**
- Le point de contact désigné par chaque État membre pour les essais cliniques, dans le cadre de la coopération européenne.

.../...



(4) Les réseaux européens de référence (*European Reference Networks – ERN*) sont des réseaux trans-frontières qui rassemblent des centres hospitaliers européens de référence possédant une expertise dans la lutte contre les maladies et affections rares, à faible prévalence et complexes nécessitant des soins de santé hautement spécialisés.

.../...

Chaque expert identifié, qu'il soit patient ou clinicien, doit remplir une déclaration d'intérêt pour s'assurer qu'il n'est pas en situation de conflit d'intérêt. Le choix final des experts est réalisé par les sous-groupes (pour les consultations scientifiques et pour l'évaluation clinique) en fonction de leurs besoins.

Un accord de confidentialité doit être signé par les experts individuels sélectionnés, afin de veiller au respect du secret professionnel.

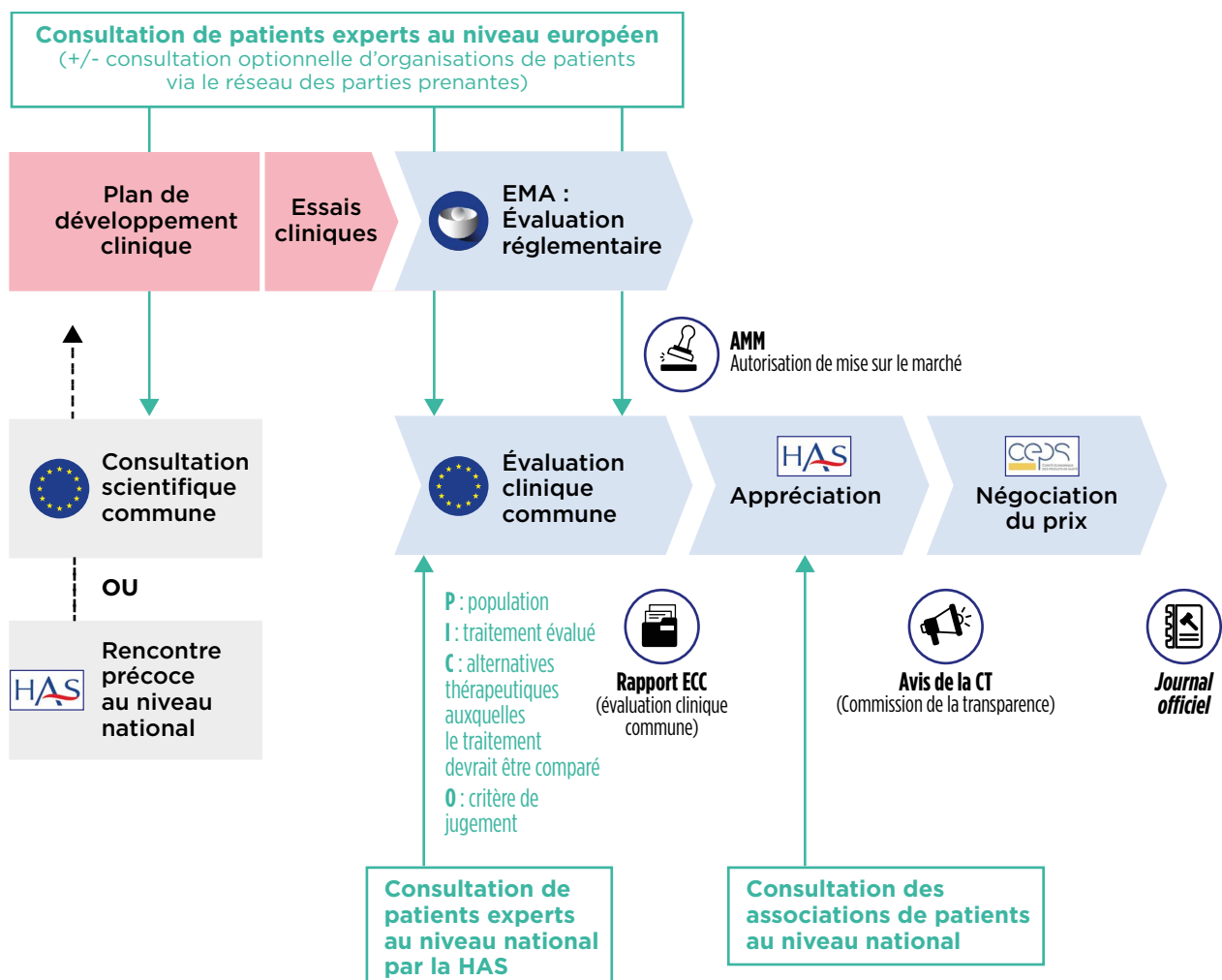
#CONSEIL



Rapprochez-vous autant que possible d'un réseau associatif européen pour voir dans quelles conditions en être membre et participer activement.

À quelles étapes ont lieu les contributions ?

Figure 3 : Étapes-clés des contributions de patients



Lors des consultations scientifiques communes et de l'évaluation clinique commune, les patients peuvent contribuer, principalement en tant qu'experts à titre individuel (bien que le plus souvent faisant partie d'une communauté ou d'une association de patients).

■ Dans le cadre des consultations scientifiques communes (*Joint scientific consultation – JSC*) en amont des essais cliniques

Lors de la phase de planification d'un essai clinique, les développeurs des technologies de santé (par exemple, les laboratoires pharmaceutiques) ont la possibilité de solliciter des conseils auprès du groupe de coordination afin d'obtenir des orientations sur leur plan de développement clinique (*par exemple : est-il pertinent de restreindre la population de l'essai aux adultes > 18 ans ?*). L'objectif est de s'assurer que les données générées au cours de l'essai répondent aux exigences spécifiques de l'évaluation clinique commune prévue à l'échelle européenne.

Des experts individuels – patients et cliniciens – sont sollicités pour avis dans le cadre des consultations scientifiques. Les experts ont accès à la plateforme informatique où sont déposés les différents documents nécessaires à la contribution (document transmis par le développeur, trame de questions...). Leur contribution peut être écrite ou orale via un entretien.

Une possibilité de contribution peut également être la participation à une réunion impliquant le développeur.

Les associations de patients, quant à elles, peuvent être sollicitées pour des questions sur la maladie et l'aire thérapeutique, via le réseau des parties prenantes.

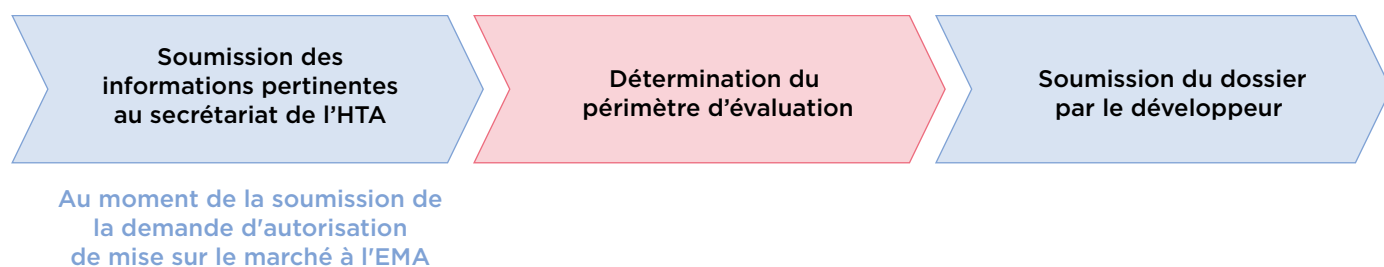
■ Dans le cadre de l'évaluation clinique commune (*Joint clinical assessment – JCA*)

L'évaluation clinique est une compilation des données cliniques comparatives issues des essais réalisés par les laboratoires (*par exemple : un nouveau traitement vs. traitement standard ou placebo*), accompagnée d'une analyse du degré de certitude des données disponibles. Cette évaluation est coordonnée au niveau européen.

L'objectif est de permettre aux pays européens d'avoir une base d'analyse commune et rigoureuse, pour faciliter ensuite les décisions nationales de remboursement et d'accès.

La première étape de cette évaluation consiste à définir le périmètre d'évaluation. Il s'agit d'identifier les critères précis sur lesquels le médicament va être évalué. Pour cela, un outil scientifique appelé «PICO» (*cf. encadré «Focus sur les PICOs»*) est utilisé.

Figure 4 : Déroulé de la phase d'évaluation clinique commune





FOCUS SUR LES PICOS

Le PICO est un outil utilisé pour formuler de façon claire une question scientifique lorsqu'on évalue un médicament. C'est une méthode qui aide à structurer la recherche de preuves dans les études cliniques.

PICO est un acronyme anglais :

- **P** pour Population (groupe de patients concerné),
- **I** pour Intervention (médicament évalué),
- **C** pour Comparateur (placebo ou autre médicament),
- **O** pour Outcomes (résultats mesurés).

Dans le cadre d'une demande d'AMM, l'EMA examine les études cliniques fournies en définissant des questions précises via les PICOs. Ils permettent donc **de poser les bonnes questions pour trouver les bonnes réponses** dans les données scientifiques, et aident les experts de l'EMA à prendre des décisions rigoureuses et transparentes sur l'évaluation des médicaments.



Le point de vue de Laure Guérault-Accolas, directrice et fondatrice de Patients en réseau

«Le O de PICO est majeur. Souvent, la qualité de vie n'est pas prise en compte et c'est sidérant du point de vue des patients. Pour autant, nous ne sommes pas obligés de ré-inventer à chaque dossier, nous pourrions réfléchir en fonction du type de grand traitement (CAR-T, traitement conjugué...) à un certain nombre de critères de jugement de base. Il n'y a pas forcément d'associations pour toutes les situations et toutes les maladies, donc il faut que nous soyons attentifs collectivement à ce qu'il y ait un premier socle de valeurs transverse, de PICOs communs, pour éviter le risque de différence de traitement d'un dossier soutenu par une association et un autre où il n'y aurait pas d'association.»

Phase d'évaluation

Finalisation du rapport d'évaluation clinique commune par le sous-groupe d'évaluation clinique commune

Au plus tard à la date d'octroi de l'AMM

Approbation du rapport d'évaluation clinique commune par le groupe de coordination

Au plus tard 30 jours après l'octroi d'une autorisation de mise sur le marché

La définition des PICOs prévoit une consultation des États membres. Chaque agence d'évaluation (HAS en France) partage ses besoins et ses attentes sur les critères. *Par exemple : quelle tranche d'âge doit être étudiée, à quel autre médicament il faut comparer l'effet du médicament évalué (il peut varier d'un pays à l'autre selon les disponibilités de traitements), etc.*

Les agences d'évaluation ont la **possibilité de consulter des patients-experts au niveau national pour avoir leurs avis** (cf. encadré « Consultation de patients experts dans la phase "nationale" des PICOs par la HAS »). Le sous-groupe compile les propositions de tous les États membres pour définir le périmètre d'évaluation.

Le périmètre d'évaluation consolidé est obligatoirement partagé avec des patients-experts pour avis. D'autres options de consultations sont possibles : les patients experts peuvent être consultés pendant la phase de consolidation du périmètre d'évaluation. Ils peuvent également être invités à la réunion de consolidation des PICOs pour commenter les différents PICOs proposés par les États membres, voire se prononcer sur les PICOs qui leur sembleraient infondés.

De façon optionnelle également, **des associations de patients peuvent être sollicitées pour des questions sur la maladie et l'aire thérapeutique, via le réseau des parties prenantes.**



Consultation de patients experts dans la phase « nationale » des PICOs par la HAS

La HAS fait le choix d'impliquer des patients experts dans la phase de consultation des États membres pour la définition des PICOs (cf. encadré « Focus sur les PICOs »). Il s'agit d'experts individuels et non de représentants d'associations de patients (mais bien sûr ces deux experts peuvent être membres d'associations). Il n'y a pas de prérequis en termes de diplôme en lien avec l'expertise patient.

Pour chaque dossier, un binôme de patients-experts sera sollicité, identifié grâce à un vivier d'experts constitué par la HAS. Le formulaire pour candidater à ce vivier d'experts, ainsi que les détails pratiques sont disponibles sur le [site de la HAS](#). Une analyse des liens d'intérêt sera faite au cas par cas, selon les règles de déontologie de la HAS (*voir le guide de déontologie de la HAS*).

Concrètement, il sera attendu des patients experts sélectionnés qu'ils donnent leurs avis sur les PICOs à retenir, sur la base de leurs connaissances de la pathologie et des traitements utilisés en France. Les réponses sont à formuler par écrit uniquement, en langue française. Les deux experts sélectionnés ont la possibilité d'échanger entre eux, mais sont tenus à la stricte confidentialité vis-à-vis de toute autre personne jusqu'à la publication des résultats.

La seconde étape constitue l'évaluation clinique à proprement parler. Lors de cette phase, des patients-experts sont obligatoirement consultés pour avis sur le projet de rapport d'évaluation clinique commune élaboré par le sous-groupe, ainsi que sur le résumé. Des questions leur sont adressées afin de les guider. De façon optionnelle, des patients-experts peuvent également être sollicités à tout moment durant la phase d'élaboration du projet de rapport, par écrit ou via la participation à une réunion de travail.

De façon optionnelle également, des associations de patients peuvent être sollicitées pour des questions sur la maladie et l'aire thérapeutique, via le réseau des parties prenantes.

■ Au niveau national, les contributions auprès de la HAS

Une fois la phase européenne terminée, la HAS procède à l'appréciation de la valeur ajoutée du médicament en vue du remboursement et du prix. Les modalités de contributions nationales restent inchangées. Une évolution toutefois : les associations de patients auront désormais accès au dossier d'évaluation clinique commune, qui sera publié un mois après l'octroi de l'AMM européenne.

À noter que les contributions dans le cadre des accès précoces restent également inchangées.

■ Autres modalités d'implication au niveau européen

Par ailleurs, les associations de patients européennes peuvent contribuer au **rapport annuel du groupe de travail européen de veille technologique** (*Horizon Scanning*) ainsi qu'aux plans de travail et de stratégie annuelle de la coopération européenne (faite par le groupe de coordination).



FOIRE AUX QUESTIONS



LES INTERVENANTS

(de gauche à droite sur la photo)

- **Laurent Petit**
directeur de l'évaluation
[Leem](#)⁽⁵⁾
- **Matteo Scarabelli**
Associate Director Market Access
[EFPIA](#)⁽⁶⁾
- **Frédéric Lavie** (modérateur)
directeur recherche,
innovation et santé publique
[Leem](#)
- **Laure Guérault-Accolas**
directrice et fondatrice
de l'association [Patients en réseau](#)⁽⁷⁾
- **François Houÿez**
directeur de l'information et de l'accès aux thérapies
[Eurordis](#)⁽⁸⁾
- **Muriel Dahan**,
directrice de la recherche et développement
[Unicancer](#)⁽⁹⁾

(5) Le Leem est l'organisation professionnelle qui représente le secteur pharmaceutique en France.

(6) La *European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations* est l'organisation professionnelle qui représente le secteur pharmaceutique en Europe.

(7) L'association *Patients en réseau* regroupe des patients et des proches, concernés par le cancer et a été créée à partir de leurs expériences vécues. Elle s'appuie sur des comités scientifiques pluridisciplinaires et a pour vocation de développer des réseaux sociaux privés pour faciliter le quotidien face à l'épreuve de la maladie.

(8) Eurordis est une association à but non lucratif, regroupant plus de mille associations de patients dans les maladies rares à travers l'Europe.

(9) Unicancer est la fédération des Centres de lutte contre le cancer (CLCC) et un réseau de 20 établissements de santé privés, à but non lucratif, spécialisés en cancérologie. Acteur majeur de la recherche en oncologie.

QUELLE(S) OPPORTUNITÉ(S) POUR L'IMPLICATION DES PATIENTS DANS CETTE RÉFORME ?

Laure Guérault-Accolas : La première mission de notre association, Patients en réseau, est d'accompagner les patients et les proches, avec Mon Réseau Cancer, et de défendre l'accès aux innovations thérapeutiques, véritable moteur de l'espoir des personnes malades.

Patients en réseau a 10 ans et, au départ, les contributions étaient rares. Notre première contribution a été faite au moment de l'arrivée des inhibiteurs de CDK4/6, une famille de médicaments qui a révolutionné la prise en charge de la maladie métastatique du cancer du sein. Puis il y a eu la réforme des accès précoces, une très belle opportunité d'apprendre, de se former et de structurer une petite équipe pour être en capacité de répondre aux contributions.

Notre association interagit depuis plusieurs années avec des réseaux d'associations européens, mais, à ce jour nous n'avons pas encore reçu d'éléments concrets sur notre implication dans le cadre de la réforme HTA. Nous sommes dans l'attente de partage des retours d'expérience des associations qui sont impliquées dans les premiers dossiers. Nous avons des points de vigilance tout de même : les patients qui s'engagent sur ces sujets ne sont pas si nombreux, et les sujets sont complexes ; ensuite se pose la question de la langue anglaise. Si on veut que les patients puissent s'exprimer véritablement, il va falloir les aider. Il ne faut pas perdre de vue que l'idée c'est d'avoir un accès plus rapide, avec une vision coordonnée de la valeur des innovations thérapeutiques en Europe. Nous devons également préserver l'accès précoce en France qui est une vraie chance.

COMMENT LES ASSOCIATIONS SE PRÉPARENT-ELLES À ACCUEILLIR CETTE RÉFORME ?

François Houÿez : En tant qu'association européenne, nous sommes impliqués de longue date dans les projets et les initiatives européennes. Chaque année, l'EMA

consulte en moyenne 1 millier de malades. Chez Eurordis, nous avons 7 collègues chargés de l'implication des patients dans les procédures européennes, avec une base d'experts solide mise en place depuis les années 2000. Nous avons plus d'un millier d'associations membres et la base comprend plus de 4 500 experts représentant 2 000 maladies rares distinctes, ce qui nous permet de proposer les personnes en 3 à 5 jours. Il faut trouver celles qui vont pouvoir le mieux contribuer, se sentir le plus à l'aise, élaborer des opinions sur des sujets qu'elles ne maîtrisent parfois pas complètement. Cela requiert une organisation assez unique dont ne disposent pas tous les réseaux européens. À notre demande, la commission européenne a accepté de créer un groupe de travail entre les 23 associations de patients européennes du réseau des parties prenantes pour partager les expériences et échanger les outils.

Laure Guérault-Accolas : À ce jour, nous n'avons pas encore de plan de formation. Nous nous posons des questions : qu'attend-on vraiment de nous ? Comment prendre la parole ? Actuellement dans notre expérience avec la HAS, nous faisons des contributions écrites. Nous avons peu de moyens et la question de la faisabilité et des ressources est importante.

QUELLES FORMATIONS EXISTENT POUR AIDER LES PATIENTS ET LEURS ASSOCIATIONS À SE PRÉPARER ?

François Houÿez : Eurordis propose la formation EUCAPA qui permet aux patients d'acquérir un savoir-faire. Par exemple, comment prendre la parole dans des réunions intimidantes avec des experts, des représentants de l'industrie, parfois même d'autres représentants de malades invités par les industriels. Nous proposons deux programmes en ligne, un de 2 heures et un de 8h ; et un programme de 3 jours en présentiel en Autriche dans une université de pointe sur l'évaluation des technologies de santé (*University for Health Sciences, Medical Informatics and Technology - UMIT*). Nous avons commencé par

l'oncologie en ciblant les associations pour lesquelles une thérapie avancée est en cours de développement. Ces programmes sont actuellement en anglais, mais nous envisageons une traduction partielle du contenu si les financements le permettent. EUPATI⁽¹⁰⁾ propose également des formations à destination des patients sur l'évaluation clinique commune.

QUELLE EXPERTISE EST ATTENDUE DES PATIENTS DANS LE CADRE DES CONTRIBUTIONS ?

En Europe, la notion de patient expert n'a pas de statut ou de cadre juridique déterminé. Elle est très inclusive et comprend tout patient qui est atteint d'une maladie et qui en a donc l'expérience directe. Il n'est donc pas attendu des patients consultés qu'ils aient un diplôme ou une formation spécifique en lien avec cette expertise. En outre, il est attendu des patients sollicités qu'ils partagent leur connaissance de la pathologie. Il n'est attendu d'eux aucune compétence particulière en matière d'évaluation des technologies de santé, ni sur les plans techniques ou statistiques. Concernant la consultation de patients-experts dans la phase « nationale » des PICO par la HAS : il s'agit d'experts individuels et non de représentants d'associations de patients. Il n'y a pas de prérequis en termes de diplôme en lien avec l'expertise-patient. Pour rappel, une fois la phase européenne terminée, la HAS procède à l'appréciation de la valeur ajoutée du médicament en vue du remboursement et du prix. Les modalités de contributions nationales actuellement en vigueur restent inchangées. À noter que les contributions dans le cadre des accès précoces restent également inchangées.

COMMENT SENSIBILISER LES CHERCHEURS À CETTE RÉFORME ?

Muriel Dahan : Nous comptons former nos équipes de recherche dans les Centres de lutte contre les cancers (CLCC) aux nouveaux process en lien avec cette réforme, car un temps d'acculturation est nécessaire et

demande la mobilisation de nombreuses compétences. Nous espérons que ce sera pour une évaluation plus simple, plus rapide et plus harmonisée.

L'enjeu est de produire des essais avec des données correspondant aux attentes de cette nouvelle évaluation européenne. Dans un contexte où se développent de nouvelles méthodologies de recherche, permettant de tester des médicaments dans des maladies rares ou dans des situations rares (méthodes qui recourent à l'intelligence artificielle, aux bras synthétiques...). Il est important d'embarquer les patients dès le début pour que cette culture-là soit partagée. Nous sommes en partenariat avec de nombreuses associations de patients, qui sont à présent intégrées à nos groupes et contribuent à toutes les étapes de nos recherches (Patients Référents Recherche), et auprès desquelles nous pouvons diffuser de l'information. Nous sommes allés voir différentes institutions européennes mais pour l'instant, nous n'avons pas suffisamment de visibilité sur l'organisation à venir pour l'expliquer à nos correspondants, nos chercheurs ou encore nos établissements. Nous sommes encore en attente de voir comment les choses vont se structurer concrètement au bénéfice des patients. L'enjeu est extrêmement fort, il faut qu'on soit collectivement bien alignés pour identifier les innovations et que ces produits arrivent bien aux bons patients.

COMMENT LES AUTRES PAYS D'EUROPE SONT-ILS ORGANISÉS ?

François Houÿez : Tous ne s'y préparent pas de la même façon. Certains pays n'ont pas vraiment d'agence d'évaluation des technologies de santé et ne prévoient pas de rencontrer les associations locales. D'autres, comme les Pays-Bas ou la République Tchèque, ont élaboré des procédures et mis en place des concertations avec des associations pour la première fois. Il y a des méthodes nouvelles et très intéressantes. Les patients et associations français ont la chance d'avoir déjà beaucoup d'expérience de la contribution dans les procédures de

droit commun et les accès précoces. Au niveau européen, les experts se dépassent et font un excellent travail. Il va falloir être vigilant sur la façon dont les États membres et les agences nationales vont utiliser les expertises européennes dans leurs travaux.

DANS QUELLE LANGUE AURONT LIEU LES ÉCHANGES ?

François Houyez : Au niveau européen, les interprètes ne sont obligatoires que pour les réunions officielles au Parlement européen dans les institutions politiques européennes. Il n'y aura donc pas d'interprète. Les contributions, orales ou écrites, devront a priori être faites en anglais. Toutefois, rien n'empêche les membres des sous-groupes d'interviewer des patients dans leur langue. À charge pour eux de rendre compte, en anglais, des résultats de ces discussions pour donner, au moins de façon indirecte, l'apport de représentants de malades qui ne pourront être entendus en anglais. Nous commençons également à tester des outils de traduction avec l'IA et les résultats sont bons. La coopération européenne permettra aussi de compenser financièrement le temps passé et les dépenses seront prises en charge.

NB : Dans la phase nationale de travail sur les PICO, les retours des patients-experts identifiés par la HAS pourront être faits en français (par écrit).

QUELS SONT LES TRAITEMENTS QUI VONT PASSER DANS LE CADRE DE LA NOUVELLE PROCÉDURE EN 2025 ET DANS LES ANNÉES SUIVANTES ?

Laurent Petit : Les produits concernés sont ceux soumis à l'EMA pour demande d'AMM à partir de janvier 2025. Entre 2025 et 2027, les produits qui feront l'objet de cette évaluation européenne sont les nouvelles substances uniquement, primo-indication dans le domaine du cancer, et toute thérapie classée comme thérapie innovante. À partir de 2028, toutes les molécules qui ont une désignation orpheline. À partir de 2030, toute nouvelle demande d'AMM au

niveau européen.

QUELS SERONT LES DOCUMENTS QUI POURRONT ÊTRE PARTAGÉS AVEC LES PATIENTS ET LES ASSOCIATIONS LORS DES CONTRIBUTIONS ?

Matteo Scarabelli : Au cours des différentes étapes de la procédure européenne (consultation scientifique commune et évaluation clinique commune), les représentants de malades ont accès à toute l'information leur permettant de contribuer et signent un accord de confidentialité.

EN PÉDIATRIE, EST-IL PRÉVU QU'UN AIDANT PUISSE REPRÉSENTER LES PATIENTS ?

Matteo Scarabelli : Nous attendons des guidelines définitives pour les pratiques. Mais les documents passés stipulent qu'on prend toujours en compte la voix des aidants pour les patients qui ne peuvent pas s'exprimer eux-mêmes.

François Houyez : À noter l'existence du réseau TEDDY en Europe. Ce sont des jeunes, des adolescents (8 pays, 15 jeunes par pays), qui se forment pour commenter les essais cliniques avec les promoteurs d'essais cliniques et qui participent aussi aux consultations du comité pédiatrique à l'EMA. Ils pourraient aussi, nous l'espérons, contribuer aux évaluations européennes des technologies de santé. Il faut qu'on travaille avec la Commission européenne pour arriver à développer un cadre qui permet la parole des enfants, des adolescents, qu'ils puissent être entendus au même titre que les adultes.

COMMENT EST TRAITÉ LE SUJET DES LIENS D'INTÉRÊT ?

François Houyez : Au niveau européen, les experts individuels identifiés dans le cadre des contributions doivent remplir une déclaration d'intérêt. Celle-ci est examinée par le Secrétariat (assuré par la Commission européenne). Les règles sont globalement

les mêmes que celles de l'EMA, avec une certaine flexibilité pour les maladies rares compte tenu du nombre d'experts restreint. D'une façon générale, il est vivement recommandé qu'au sein des associations de malades, ceux qui travaillent avec l'industriel, le cas échéant, soient différents de ceux qui seront amenés à être consultés par les autorités. La liste des critères retenus pour identifier les conflits d'intérêt est détaillé en Annexe II du règlement d'exécution de la Commission 2024/2745.

NB : Concernant la phase nationale de travail sur les PICO, l'analyse des liens d'intérêt est faite au cas par cas par la HAS, et en application de son guide de déontologie. Pour rappel, les experts sollicités le sont à titre individuel, et non au titre de leur association. Ce sont donc les liens individuels qui sont regardés, et non l'ensemble des liens de l'association. Toutefois, dans le cas d'un expert qui a une position clé dans une association (par exemple en tant que membre du Conseil d'administration ou de la direction), cette situation sera prise en compte dans l'analyse.

QUELS CONSEILS DONNERIEZ-VOUS AUX ASSOCIATIONS NATIONALES ?

François Houÿez : L'anticipation : se préparer le plus en amont possible. De ce point de vue, il est intéressant d'échanger avec les associations européennes membres du réseau des parties prenantes. D'autres acteurs impliqués au niveau européen peuvent aussi être sollicités : les *European reference networks* (ERN), le portail Orphanet, l'Agence européenne du médicament. Il est également pertinent de recueillir les commentaires des associations dans les autres pays sur les effets des différents traitements existant, les limites et leurs contraintes, en vue d'une éventuelle participation à une procédure européenne. Pour se préparer, il est conseillé aux

associations de recueillir auprès de leurs membres toutes données répondant aux questions :

- Quels impacts la maladie a-t-elle dans la vie des malades (en se concentrant sur les 3 principaux, ou bien en fournissant des données issues de questionnaires aux malades) ? Y a-t-il des personnes chez qui la maladie suit un cours particulier ? Plus rapide, plus sévère etc.
- Quels sont les traitements disponibles, et qu'en pensent les malades (aspects positifs, aspects négatifs) ?
- Quelles échelles de qualité de vie semblent les plus pertinentes ? Ou s'il fallait mesurer l'efficacité de ce traitement, quel critère semblerait le plus pertinent ?

NB : Pour la participation à la phase nationale de travail sur les PICO, la HAS constitue un vivier d'experts, auquel il est possible de candidater (voir le site de la HAS).



RESSOURCES

- Replay du webinaire « Réforme HTA : concrètement quel impact pour les associations de patients ? », Leem (26 mars 2025)
- Replay du webinaire « Évaluations cliniques communes (JCA) : Information pour les patients-experts », HAS (10 juin 2025)
- Replay du webinaire « *Health technology assessment: Webinar for patients and clinical experts* », Commission européenne (16 mai 2025, en anglais)
- Formations EUCAPA
- Support de formation pour les associations de patients et d'utilisateurs : « Comprendre l'évaluation des technologies de santé », HAS
- Contribution des associations de patients et d'utilisateurs aux évaluations de médicaments et dispositifs médicaux - Guide pour les associations de patients et d'utilisateurs, HAS
- Règlement (UE) 2021/2282 du Parlement européen et du Conseil du 15 décembre 2021 concernant l'évaluation des technologies de la santé et modifiant la directive 2011/24/UE
- Page dédiée du site de la Commission européenne sur Health technology assessment

GLOSSAIRE

ANSM

Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé

AMM

Autorisation de mise sur le marché

CLCC

Centre de lutte contre les cancers

EFPIA

European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations – Organisation professionnelle européenne de l'industrie pharmaceutique

EMA

European Medicines Agency – Agence européenne du médicament

ERN

European Reference Networks – Réseaux européens de référence

HAS

Haute autorité de santé

HTA

Health technology Assessment – Évaluation des technologies de santé

PICO

Population, Intervention, Comparator, Outcomes

leem

www.leem.org

Retrouvez-nous

 Leem

 LeemFrance

 LeemFrance

58 Boulevard Gouvion-Saint-Cyr
Paris 17^e